

I trial clinici visti dai pazienti: un'indagine online

DasMahapatra P, Raja P, Gilbert J, Wicks P

Clinical trials from the patient perspective: survey in an online patient community

BMC Health Services Research 2017; 17: 166

INTRODUZIONE

Negli ultimi anni si è molto dibattuto su quanto costino i trial (si parla di circa 2,6 miliardi di dollari con un incremento del 145% rispetto al 2003) e sul fatto che l'esistenza di barriere e ostacoli al reclutamento dei pazienti possa in qualche modo far lievitare ancora di più tali costi. Le barriere potenziali includono fattori legati all'organizzazione, agli operatori e ai pazienti. Da una recente indagine risulta che molti pazienti hanno un'idea sbagliata della sperimentazione clinica tanto che il 37% degli intervistati ha dichiarato che avrebbe preferito non essere arruolato. Dare seguito a questi dubbi è tutt'altro che sbagliato e sta nascendo sempre più l'esigenza di coinvolgere i pazienti basandosi su aspetti specifici evidenziati dai pazienti stessi. Il network Patient-Powered Research ha messo a disposizione un data set (PatientsLikeMe - PLM) che fa comprendere meglio quali siano le barriere alla partecipazione ai trial, identificando anche le opportunità di potenziare tale esperienza nei pazienti con patologie croniche. Il duplice obiettivo dello studio è quello di:

1. identificare i fattori sociodemografici associati alla partecipazione ad un trial clinico;
2. indagare le differenze nella percezione che hanno i pazienti arruolati con patologie croniche.

METODI

I pazienti partecipanti al network PLM hanno condiviso le informazioni sulle loro condizioni di salute, trattamenti, sintomi e comorbilità tramite un database strutturato al fine di effettuare confronti con altri pazienti nelle stesse condizioni e di migliorare il loro stato di salute dando un contributo alla ricerca scientifica.

Un'indagine online è stata quindi condotta nei mesi di febbraio e marzo 2014 con l'intento di chiarire la percezione dei pazienti e la loro

esperienza nel trial clinico. Il questionario è stato somministrato via mail ad un campione di pazienti appartenenti al network citato. Le variabili demografiche hanno incluso l'età, il sesso, l'etnia, la razza, il Paese di residenza e le condizioni mediche primarie.

L'indagine è stata strutturata in tre sezioni:

- a) passata esperienza in un trial clinico,
- b) interesse verso le sperimentazioni,
- c) fattori che possono influenzare la partecipazione ad una sperimentazione.

I criteri di inclusione dei pazienti sono stati quelli di essere un membro registrato del PLM network, con più di diciotto anni, con un'attività nella rete negli ultimi novanta giorni e che riporta una delle seguenti condizioni di salute: sclerosi laterale amiotrofica, diabete mellito di tipo 2, epilessia, fibromialgia, sclerosi multipla, disturbi depressivi gravi, Parkinson, artrite reumatoide e lupus sistemico eritematoso. Le analisi sono state condotte solo sul campione di pazienti che ha completato il questionario nella sua interezza.

RISULTATI

Dei 6819 pazienti, solo 1612 hanno rispettato i criteri di eleggibilità. L'età media è di 55 anni, il 67% è rappresentato da donne, il 93% è di razza bianca, prevalentemente americana (72%) con le seguenti condizioni primarie: 21% con sclerosi multipla, 20% con Parkinson, 15% con fibromialgia, 10% con sclerosi laterale amiotrofica, 10% con diabete mellito di tipo 2, 8% con artrite reumatoide, 8% con epilessia, 5% con disturbi depressivi gravi, e 3% con lupus sistemico eritematoso. Il 39% dei pazienti dichiara di avere discusso con il proprio medico curante della possibilità di partecipare a trial clinici e solo il 31% di essere stato invitato a partecipare. Il 21% era già stato arruolato in un trial clinico e il 65% di questo 21% in più di una sperimentazione. Il 24% era stato arruolato durante il periodo dell'indagine e il 12% ne è uscito prima della sua conclusione. Fra i pazienti invitati ad una sperimentazione, alcuni (19%) non sono stati considerati eleggibili, mentre altri hanno rinunciato all'invito (11%) per i seguenti motivi: difficoltà nel viaggiare (42%), possibilità di incorrere in eventi avversi (30%), possibilità di vedersi somministrato il placebo (23%) e disinteresse per la sperimentazione (23%).

La maggioranza dei partecipanti ha dichiarato di essere molto soddisfatto/soddisfatto dalla partecipazione; di questi, l'88% ha espresso un alto grado di interesse nell'imparare prendendo parte ad una sperimentazione e l'80% ha dichiarato di voler prendere parte a sperimentazioni nei successivi 12 mesi. Ai partecipanti è stato anche chiesto di classificare per ordine di importanza i fattori che reputano rilevanti nella partecipazione ad un trial: opportunità di miglioramento della salute degli altri, reputazione dell'istituzione promotrice, possibilità di coprire le cure mediche in caso di evento avverso derivante dalla sperimentazione e, infine, remunerazione conseguente la partecipazione.

DISCUSSIONE

In un campione di oltre 1600 pazienti con patologie croniche gli autori hanno rilevato un'ampia disponibilità a prendere parte alle sperimentazioni accompagnata da una tasso variabile di soddisfazione da parte di coloro che ne hanno preso parte. Il grande ostacolo è rappresentato dal fatto che i medici spesso non coinvolgono sufficientemente i pazienti e non li invitano a partecipare. I pazienti con patologie più 'rare' (sclerosi multipla, sclerosi laterale amiotrofica e Parkinson) hanno maggiore esperienza delle sperimentazioni e questo dovrebbe far riflettere su fattori rilevanti come la percezione circa la gravità della patologia, la disponibilità di terapie utilizzabili, l'opportunità di scelta fra varie sperimentazioni, il coinvolgimento con le organizzazioni che supportano la ricerca. I pazienti sono entusiasti di entrare a far parte delle sperimentazioni per ragioni altruistiche, ma raramente ne hanno la possibilità. Una volta arruolati, vivono un'esperienza che può essere ulteriormente arricchita tramite il confronto con altri pazienti nelle stesse condizioni di salute e che può portare anche al miglioramento del protocollo della sperimentazione. Anche se i fattori associati ai pazienti sono solo un aspetto per condurre una buona sperimentazione con successo, lo studio dimostra che vi sono anche requisiti etici, scientifici ed economici che incoraggiano l'implementazione di un approccio paziente-centrico.

Letizia Orzella

*Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali,
Agenas*

Prescrivere informati anche sul costo dei farmaci

Tseng CW, Lin GA, Davis J et al

Giving formulary and drug cost information to providers and impact on medication cost and use: a longitudinal nonrandomized study

BMC Health Services Research 2016; 16: 499

BACKGROUND

La spesa per medicinali nei Stati Uniti sta crescendo a dismisura e sempre più spesso viene chiesto a medici e pazienti di scegliere il trattamento farmacologico nel modo più consapevole possibile. Allo stesso tempo, i benefici derivanti dai farmaci divengono sempre più complessi, con un numero crescente di piani sanitari per la copertura delle spese farmaceutiche e diversi tipi di compartecipazione a seconda della copertura scelta. Il presente lavoro vuole indagare le differenze nella prescrizione dei farmaci da parte dei medici che hanno ricevuto la Prescribing Guide (ovvero una guida sui piani terapeutici e sul costo dei farmaci) rispetto al gruppo di controllo che non l'ha ricevuta.

METODI

Per individuare i casi, sono stati utilizzati i data base amministrativi dei pazienti con diabete nel periodo 2007-2009 che hanno ricevuto almeno una prescrizione farmaceutica. Per ogni paziente sono state calcolate le variazioni di costo dal 2007 al 2009 legate all'uso del medicinale (numero di prescrizioni, numero di giorni di terapia), i costi del trattamento (pagati dal paziente e dal piano assistenziale) e i costi sostenuti esclusivamente dai pazienti all'anno e per mese di trattamento.

RISULTATI

Il campione è costituito da 6433 pazienti di età compresa fra i 21 e i 64 anni. I prescrittori sono stati principalmente internisti, medici di famiglia, endocrinologi e cardiologi. Il campione genera una spesa di circa 43 milioni di dollari dovuti ai costi dei medicinali, quasi 6 milioni in spese *out of pocket*, 433.945 prescrizioni e circa 15 milioni di giornate di terapia che coprono